09/06872/ 1-02-98

PCT WELTORGANISATION FÜR GEISTIGES EIGENTUM Internationales Büro
INTERNATIONALE ANMELDUNG VERÖFFENTLICHT NACH DEM VERTRAG ÜBER DIE INTERNATIONALE ZUSAMMENARBEIT AUF DEM GEBIET DES PATENTWESENS (PCT)

WO 97/17937 (51) Internationale Patentklassifikation 6: (11) Internationale Veröffentlichungsnummer: A2 A61K (43) Internationales Veröffentlichungsdatum: 22. Mai 1997 (22.05.97)

(21) Internationales Aktenzeichen:

PCT/DE96/02181

(22) Internationales Anmeldedatum:

November 1996

(14.11.96)

(30) Prioritätsdaten:

195 42 838.2 196 40 630.7

17. November 1995 (17.11.95)

1. Oktober 1996 (01.10.96)

FRANZ, Wolfgang-M. (71)(72) Anmelder und Erfinder: [DE/DE]; Fasanenring 15b, D-23627 Gross Gronau (DE).

(72) Erfinder; und

(75) Erfinder/Anmelder (nur für US): ROTHMANN, Thomas [DE/DE]; Im Karolingerweg 11, D-69123 Heidelberg (DE). KATUS, H.A. [DE/DE]; Domhof 23, D-23909 Ratzeburg

(74) Anwalt: BARDEHLE, PAGENBERG, DOST, ALTENBURG, FROHWITTER, GEISLER & PARTNER; Galileiplatz 1, D-81679 München (DE).

(81) Bestimmungsstaaten: AL, AM, AT, AU, AZ, BA, BB, BG, BR, BY, CA, CH, CN, CU, CZ, DE, DK, EE, ES, FI, GB, GE, HU, IL, IS, JP, KE, KG, KP, KR, KZ, LC, LK, LR, LS, LT, LU, LV, MD, MG, MK, MN, MW, MX, NO, NZ, PL, PT, RO, RU, SD, SE, SG, SI, SK, TJ, TM, TR, TT, UA, UG, US, UZ, VN, ARIPO Patent (KE, LS, MW, SD, SZ, UG), eurasisches Patent (AM, AZ, BY, KG, KZ, MD, RU, TJ, TM), europäisches Patent (AT, BE, CH, DE, DK, ES, FI, FR, GB, GR, IE, IT, LU, MC, NL, PT, SE). OAPI

Veröffentlicht

SN, TD, TG).

Ohne internationalen Recherchenbericht und erneut zu veröffentlichen nach Erhalt des Berichts.

Patent (BF, BJ, CF, CG, CI, CM, GA, GN, ML, MR, NE,

- (54) Title: GENE-THERAPEUTIC NUCLEIC ACID CONSTRUCT, PRODUCTION OF SAME AND USE OF SAME IN THE TREATMENT OF HEART DISORDERS
- (54) Bezeichnung: GENTHERAPEUTISCHES NUKLEINSÄUREKONSTRUKT, SEINE HERSTELLUNG UND VERWENDUNG ZUR BEHANDLUNG VON HERZERKRANKUNGEN

(57) Abstract

The invention relates to a gene-therapeutic nucleic acid construct containing a regulatory nucleic acid sequence of the 5'-end of the myosin light chain 2 (MLC-2) heart gene. The regulatory nucleic acid sequence in question is functionally connected to a nucleic acid which codes for a therapeutically active gene product, antisense nucleic acid or ribozyme. Also disclosed is a process for producing the construct and its use in gene therapy for treating heart disorders.

(57) Zusammenfassung

Bei der Erfindung handelt es sich um ein gentherapeutisches Nukleinsäurekonstrukt enthaltend eine regulatorische Nukleinsäuresequenz vom 5'-Ende des Myosin-Leichte-Ketten-2 Gens (MLC-2) des Herzens, die funktionell mit einer Nukleinsäure verbunden ist, die für ein therapeutisch wirksames Genprodukt, für eine antisense Nukleinsäure oder für ein Ribozym kodiert, sowie um ein Verfahren zu dessen Herstellung und die Verwendung zur gentherapeutischen Behandlung von Herzerkrankungen.